

LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE

Avril 2012 VOLUME 19 • N° 1

www.wfh.org



La FMH nomme John E. Bournas au poste de directeur général et chef de la direction

Elizabeth Myles

DIRECTRICE DES COMMUNICATIONS ET DES POLITIQUES PUBLIQUES DE LA FMH

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) est heureuse d'annoncer la nomination de John E. Bournas au poste de directeur général et chef de la direction. M. Bournas a plus de 15 années d'expérience à titre de gestionnaire supérieur dans le domaine des soins de santé et le secteur à but non lucratif, ainsi qu'une expérience internationale comme diplomate. Il est notamment spécialisé en gestion, en développement d'entreprise, en plaidoyer en matière de soins de santé, et en réseautage auprès d'intervenants aux plus hauts échelons de l'appareil gouvernemental.

M. Bournas a pris ses fonctions le 25 janvier. « Nous sommes ravis d'accueillir M. Bournas au sein de la FMH », déclare Mark Skinner, président de la Fédération. « Ses compétences particulières et son exposition internationale seront cruciales à l'atteinte de nos objectifs stratégiques dans les années à venir. »

Avant de se joindre à la FMH, M. Bournas était directeur principal des affaires internationales auprès de l'American

College of Cardiology Foundation (ACC). L'ACC est la plus grande société professionnelle internationale de cardiologues. À ce titre, il était responsable de la planification stratégique à l'échelle mondiale, des adhésions internationales, des partenariats avec des sociétés nationales de soins de santé, du plaidoyer mondial, et de diversifier les recettes de l'organisation en interpellant ses partenaires commerciaux. Auparavant, M. Bournas a occupé le poste de directeur principal international au sein de la société Cardinal Health, aux États-Unis. Il s'agit d'une entreprise inscrite à la liste Fortune 19 qui a pour spécialité l'amélioration de la rentabilité dans le secteur des soins de santé.

M. Bournas a travaillé et voyagé partout dans le monde à forger des relations et à combler l'écart entre pays émergents et pays développés. Il a exercé des fonctions diplomatiques au Chili, en Australie et au Japon, à superviser des projets d'échanges internationaux et de développement. Fils de parents d'origine chilienne et grecque, il a été élevé au Chili et aux États-Unis. Il parle l'espagnol, le français et le portugais, de même qu'un peu de japonais et de grec.

M. Bournas a une maîtrise en administration des affaires de l'Université



John E. Bournas

Macquarie en Australie, une maîtrise en sciences politiques de l'Université Fordham aux États-Unis, et un baccalauréat es arts avec spécialisation en études internationales de l'Université Fairleigh Dickinson, également aux États-Unis. Il est marié et père de quatre enfants. ■

2
UN HOMMAGE À MARK SKINNER
Survол des nombreuses grandes choses qu'il a accomplies en huit ans

4
BIENVENUE À PARIS!
Découvrez la splendeur de Paris lors du Congrès mondial 2012 de la FMH

5
50 ANNÉES PASSÉES À FAIRE AVANCER LE TRAITEMENT POUR TOUS
La FMH lance sa campagne Comblent l'écart

8
UN ESSAI DE THÉRAPIE GÉNÉRIQUE DONNE DES RÉSULTATS PROMETTEURS
Une percée dans le développement du traitement de l'hémophilie par transferts géniques

11
JOURNÉE MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE 2012
Le 17 avril, célébrez avec toute la communauté mondiale des troubles de coagulation



FMH 50
ANS CONSACRÉS À AMÉLIORER LE TRAITEMENT POUR TOUS
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
World Federation of Hemophilia
Federación Mundial de Hemofilia

Un hommage à Mark W. Skinner

Elizabeth Myles

DIRECTRICE DES COMMUNICATIONS ET DES POLITIQUES PUBLIQUES DE LA FMH

Depuis son élection à la présidence de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) en 2004, Mark W. Skinner est devenu le visage de la FMH. Son mandat se termine en juillet 2012, et le moment se prête à s'attarder sur certains de ses accomplissements.

Ce qui intéresse Mark plus que tout, ce sont les patients, et il travaille sans relâche pour améliorer la situation des personnes atteintes de troubles hémorragiques. Mark a grandi dans les années 1960, et il sait ce que c'est de souffrir de saignements sans pratiquement aucun soins, c'est d'ailleurs ce qui l'a incité à se donner comme mission d'améliorer la vie des autres. « Personne ne devrait avoir à supporter la douleur j'ai endurée pendant mon enfance, » dit-il. Au cours des huit dernières années, Mark a voyagé partout dans le monde. Il a visité 58 pays et rencontré des milliers de personnes atteintes de troubles hémorragiques, portant partout avec lui un message d'espoir pour une vie meilleure.

Une des premières grandes choses que Mark a faite en tant que président, ce fut d'entreprendre une initiative de planification stratégique en 2005. C'est ce qui a mené à l'articulation d'une nouvelle vision pour la FMH : Le traitement pour tous. Un jour, tous ceux qui ont des troubles de coagulation héréditaires, peu importe où ils vivent, auront accès au traitement. Le traitement pour tous, c'est plus que les produits de traitement : c'est un diagnostic juste, et la prise en charge et les soins assurés par une équipe multidisciplinaire de spécialistes quali-

fiés. Cela signifie que toutes les personnes atteintes de troubles de coagulation héréditaires ont accès à des produits de traitement sûrs et efficaces. Cela signifie l'expansion des services au-delà de l'hémophilie pour englober la maladie de Willebrand, les déficiences de facteur rares et les troubles plaquettaires héréditaires.

L'expérience personnelle de Mark pendant la pandémie du sida dans les années 1980 l'a aidé à saisir toute l'importance pour les patients d'intervenir dans la surveillance exercée par le gouvernement et en tant que défenseurs de leurs droits. Cela a continué à la FMH, tandis qu'il a affirmé le besoin pour les patients de siéger aux comités nationaux de l'hémophilie et qu'il a introduit, en collaboration avec Gordon Clarke, un nouveau programme de formation en matière de plaidoyer pour aider les organisations nationales membres de la FMH à convaincre leurs gouvernements nationaux du besoin d'améliorer les soins.

L'expérience considérable de Mark en matière de levée de fonds a contribué à consolider la situation financière de la FMH et à diversifier ses sources de financement. Au cours des deux mandats de Mark comme président, six nouvelles entreprises partenaires se sont unies à la FMH. Sans tenir compte des recettes des congrès et des dons reçus au titre de l'aide humanitaire, le revenu annuel de la FMH a presque doublé, passant de 2,5 millions de dollars canadiens en 2004 à 4,9 millions en 2012, selon les prévisions. Mark a aussi mis en place le Fonds commémoratif Susan Skinner, en mémoire de sa mère, qui était porteuse symptomatique, pour appuyer l'éduca-



Mark assiste à une séance de formation de la FMH en 2010.

tion et la formation des jeunes femmes ayant des troubles de coagulation.

Mark a l'espoir que le traitement pour tous s'étende non seulement au traitement, mais aussi à la découverte éventuelle d'une cure. Il a d'ailleurs joué un rôle de premier plan dans l'élaboration du nouveau programme de recherche de la FMH, lequel sera lancé en juillet 2012, lors du Congrès mondial.

Pendant le mandat de Mark, la FMH est devenue une voix puissante pour la communauté des troubles de coagulation, et Mark a préparé le terrain pour que la FMH soit prête à se lancer dans une prochaine étape passionnante, qui débute avec le lancement des activités organisées pour marquer le 50^e anniversaire de la FMH. Tout comme Frank Schnabel, le fondateur de la FMH, Mark rêvait de « soulager la douleur et la détresse des hémophiles du monde » et, par son travail, il a réussi. Au nom de la communauté mondiale des troubles hémorragiques, nous l'en remercions. ■



Mark avec un jeune garçon hémophile à Damas, en Syrie.



Mark visite un atelier de fabrication de prothèses à Dakar, au Sénégal.

Des contributions inestimables à la FMH

La Professeure Alison Street, WFH vice-présidente médicale de la FMH, et Rob Christie, vice-président aux finances de la FMH, deux bénévoles qui se consacrent depuis longtemps à la Fédération, achèveront leur mandat au Congrès mondial 2012 de la FMH.



La Prof. Alison Street (Australie) est membre du Comité de direction depuis 2002. Elle occupe depuis 2008 le poste de vice-présidente médicale. À ce titre, elle préside le Comité consultatif médical (CCM) de la FMH et oriente les activités de la Fédération dans la sphère médicale. Fortement en faveur de l'approche thérapeutique multidisciplinaire, elle a redonné vie au CCM en y intégrant les diverses disciplines clés. De plus, elle a réorganisé le Congrès mondial de la FMH de façon à mieux répondre aux besoins de l'équipe de soins multidisciplinaire.

Alison visite l'Institut national d'hématologie et de transfusion sanguine à Hanoï, au Vietnam.

Rob Christie (Australie) à titre de vice-président aux finances de la FMH, veille sur les affaires financières de la Fédération depuis 2004. Puisant à son expérience professionnelle en gestion des affaires, il joue un rôle essentiel pour consolider la position financière et la stabilité de la FMH et améliorer les pratiques de gestion de l'organisation à mesure que celle-ci gagne en complexité. Rob a présidé le comité permanent des congrès et des réunions de la FMH de 2004 à 2012 et il est co-président du comité chargé du programme multidisciplinaire du Congrès mondial 2012 de la FMH.

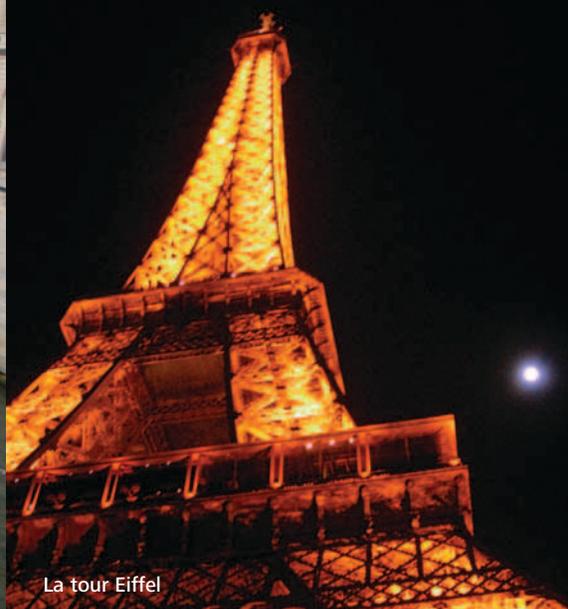
Rob présente les états financiers lors de l'assemblée générale de la FMH de 2010 à Buenos Aires, en Argentine.



Outre les contributions inestimables qu'ils ont apportées à la FMH en tant que bénévoles, Alison et Rob se sont distingués en répondant chaque année par un don à l'appel lancé par la FMH, préconisant ainsi la culture philanthropique propice au développement futur. Merci.



Promenade en bateau sur la Seine.



La tour Eiffel

Bienvenue à Paris

Sarah Ford

RESPONSABLE DES COMMUNICATIONS DE LA FMH

Profitez de votre participation au Congrès mondial 2012 de la FMH pour découvrir toute la splendeur de Paris. Pour ceux et celles qui veulent assister au Congrès pour tout savoir des derniers développements touchant le traitement et les soins des troubles de coagulation et aussi vivre des vacances palpitantes, les possibilités sont infinies.

Les congressistes auront le choix de diverses excursions d'une journée ou d'une demi-journée avant et après le Congrès. Explorez les environs de Paris au gré de sorties dans la vallée de la Loire, en Normandie et en Champagne.

Visitez des endroits et des monuments célèbres, y compris l'Arc de Triomphe, le Palais de Chaillot, la Tour Eiffel, le Louvre, l'Académie militaire, l'Hôtel national des Invalides, l'immense place de la Concorde, l'Opéra, et la célèbre avenue des Champs-Élysées. Promenez-vous dans Montmartre, qui conserve son charme villageois au cœur de la ville animée. Ceux et celles qui désirent en apprendre davantage sur l'art de la cuisine française auront la possibilité de suivre un cours de cuisine au restaurant *Le Cordon Bleu*.

Ces activités, et bien d'autres, sont proposées aux congressistes. Visitez le site www.wfhcongress2012.org pour lire tous les détails sur le programme du Congrès ainsi que sur les séances, les ateliers, les visites offertes chaque jour, les hôtels, le programme socioculturel, une cérémonie de remise de prix hors du commun, et plus encore. ■

Nous avons hâte de vous accueillir à Paris!

CAMPAGNE DU 50^e ANNIVERSAIRE

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) donnera le coup d'envoi à sa campagne du 50^e anniversaire lors du Congrès, détails à la page 5. Nous encourageons tout le monde à prendre part à ces activités car ce 50^e anniversaire célèbre autant le travail acharné de la FMH que celui de l'ensemble de la communauté mondiale des troubles de coagulation.

INFORMATION POUR LES VOYAGEURS



Les deux aéroports internationaux de Paris, soit Roissy / Paris-Charles de Gaulle (CDG) et Paris-Orly (ORY), sont desservis par toutes les grandes compagnies aériennes. Le train Eurostar est une alternative pour les voyageurs internationaux, avec ses correspondances directes avec Londres, Royaume-Uni, et Bruxelles, en Belgique. On conseille aux congressistes de se renseigner le plus rapidement possible sur les exigences relatives aux visas auxquelles ils sont sujets en s'adressant à l'ambassade de France ou en consultant le site www.diplomatie.gouv.fr.

COMMANDITAIRES DU CONGRÈS 2012

CATÉGORIE PLATINE :

Baxter
Bayer HealthCare
Biogen Idec / Swedish Orphan Biovitrum
CSL Behring

LFB
Novo Nordisk
Octapharma
Pfizer

CATÉGORIE OR :

Grifols

COMMANDITAIRES COMPLÉMENTAIRES :

Biotest
Inspiration Biopharmaceuticals
Kedrion

50^e ANNIVERSAIRE

50 années passées à faire avancer le Traitement pour tous

Antonietta Colavita

RESPONSABLE DES DONS ANNUELS
DE LA FMH

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) lancera les festivités de son 50^e anniversaire cette année, lors de son Congrès mondial de 2012. Joignez-vous aux milliers de congressistes qui se réuniront pour marquer les 50 ans de l'œuvre de la FMH et de la communauté mondiale des troubles de coagulation.

Le 50^e anniversaire de la FMH est une occasion de progresser dans notre cheminement vers le Traitement pour tous. La FMH invite tous les membres de sa famille mondiale à assumer un rôle moteur pour l'avenir. Votre soutien et votre passion contribueront à jeter une base solide pour la prochaine décennie de développement mondial en vue de parvenir à combler l'écart. La réalité est que la plupart des personnes atteintes de troubles de coagulation héréditaires sont privées de diagnostic adéquat, de traitement et de prise en charge thérapeutique.

Lors de la cérémonie d'ouverture du Congrès, la FMH inaugurera une vidéo intitulée *Comblant l'écart*, la première d'une série d'émissions vidéo tournées pour le 50^e anniversaire qui sortiront au cours des deux prochaines années. Réalisée sur place au Sénégal, elle met en lumière le travail accompli par la FMH grâce à l'engagement infatigable de cette communauté.

Pendant la cérémonie remise des prix de la FMH qui se tiendra au Congrès, un hommage spécial sera rendu à la vision et au leadership extraordinaires des bénévoles de la

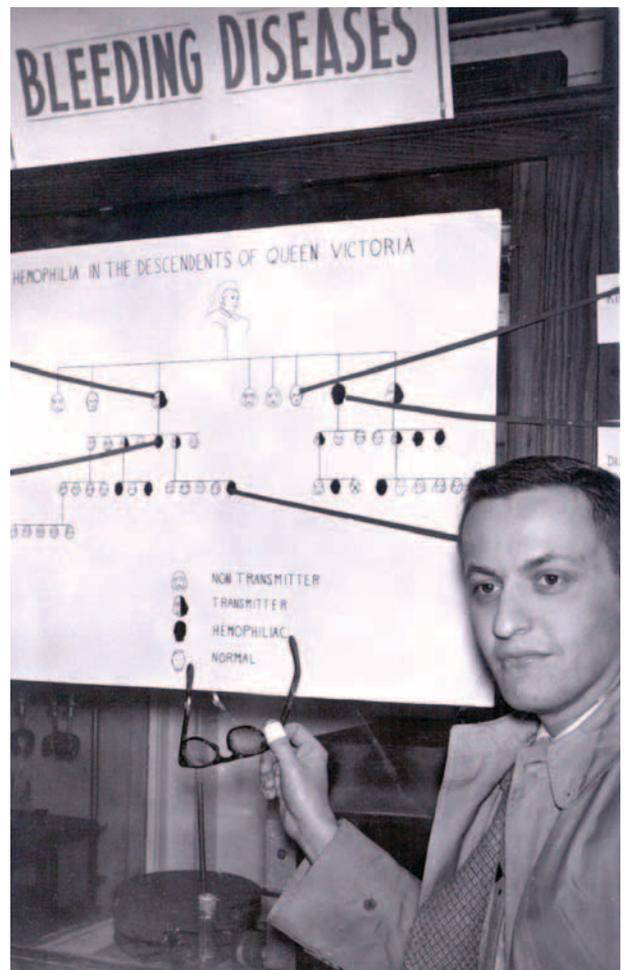
FMH qui ont été les porte-étendards de la vision du Traitement pour tous.

Les congressistes sont aussi invités à visiter le Centre de ressources de la FMH, dans le salon d'exposition, pour faire un souhait d'anniversaire et verser une contribution pour aider à combler l'écart thérapeutique dans le monde. N'oubliez pas de pointer la carte du monde de la FMH. Les donateurs courront la chance de gagner les tirages quotidiens, et le pays qui sera à l'origine du plus de dons remportera la Coupe du monde de la FMH. Le gagnant du grand prix, soit un voyage au Congrès 2014 qui se tiendra à Melbourne, en Australie, sera annoncé pendant le dîner de clôture. Tous les donateurs au Congrès et les membres de soutien qui s'inscrivent ou renouvellent leur adhésion pendant le Congrès seront admissibles à ce tirage.

Notre 50^e anniversaire est propice à l'action et à la réflexion. La FMH a certainement connu des succès impressionnants, mais il reste beaucoup à faire. Environ 75 % des personnes atteintes de troubles de coagulation sont privées de soins adéquats. Dans les régions du monde où l'accès aux soins médicaux les plus élémentaires est difficile, les troubles de coagulation peuvent être débilissants, voire menacer la survie.

Même en songeant aux progrès des 50 dernières années, nous continuons de regarder vers l'avant. Nous continuerons d'œuvrer pour le jour où le traitement sera offert à tous, partout dans le monde. ■

**Ensemble, nous allons
comblant l'écart.**



Frank Schnabel, fondateur de la FMH.

COMMANDITAIRES DU COMITÉ D'HONNEUR DU 50^e ANNIVERSAIRE

Baxter
Bayer
Biogen Idec Hemophilia
Biotest
BPL
CSL Behring
Green Cross
Grifols
Inspiration Biopharmaceuticals
Kedrion
LFB
Octapharma
Novo Nordisk
Pfizer
Sanquin

Des volontaires extraordinaires

Appuyer la recherche par la participation et l'analyse des résultats

Mark W. Skinner

PRÉSIDENT DE LA FMH

Plus tôt cette année, je patientais dans une salle en attendant de m'inscrire à un essai clinique de plus. Cette fois, il s'agissait d'une étude pour améliorer les techniques de diagnostic et de traitement des personnes atteintes d'une hépatite. C'est alors que j'ai lu ces mots sur le mur : « Derrière chaque traitement et chaque cure, il y a un groupe de bénévoles extraordinaires. »

Au cours des 50 dernières années, nous avons vu d'énormes progrès dans les approches et thérapies visant à soigner les troubles de coagulation. Il est bon de se rappeler qu'aucun de ces progrès n'aurait été possible sans la générosité héroïque et altruiste de milliers de patients. Chacun d'entre eux a volontairement accepté de se soumettre à des recherches médicales ou de partager ses données médicales personnelles à des fins d'étude.

Pendant ma vie, les options thérapeutiques ont progressé du sang complet au plasma frais, au plasma frais congelé, au cryoprécipité, aux concentrés de facteur dérivés de plasma et, plus récemment, aux facteurs de coagulation recombinants. La promesse de traitements encore plus neufs, comme les thérapies de longue durée et les transferts géniques, se profile à l'horizon.

La prestation des soins aussi a évolué, partant d'un système fragmenté, avec peu de spécialistes, pour aboutir à la prise de conscience du fait que les soins dispensés dans le contexte d'un cadre complet et pluridisciplinaire, par des professionnels de la santé dûment formés, donnent les meilleurs résultats.

Aujourd'hui, grâce aux recherches qui continuent, nous créons des outils et accumulons les connaissances nécessaires pour pouvoir traiter le patient individuellement, et non plus généralement la maladie. Des concepts comme la prophylaxie adaptée, le dépistage des personnes risquant de développer des inhibiteurs, et les indicateurs de santé propres aux femmes atteintes de troubles hémorragiques se taillent une place dans les soins cliniques.

Ceux d'entre nous qui vivons avec un trouble de coagulation, ainsi que les familles qui nous soutiennent, avons hâte au jour où une cure sera découverte ou, à tout le moins, au jour où le traitement sera facile-

ment accessible et abordable pour tous, avec un impact minimum sur la vie quotidienne. Si nous voulons atteindre ces objectifs, nous devons appuyer la recherche et y participer pour arriver au prochain bond en avant, tout en préservant les nombreux acquis que nous avons déjà.

Les défis nés de la nécessité de répondre au gouvernement et aux bailleurs de fonds, qui exigent une médecine fondée sur les preuves et la justification des coûts pour introduire et améliorer des nouveaux traitements et des modèles de soins, sont omniprésents et de plus en plus lourds. Pour soutenir l'accès aux soins dans le monde et en poursuivre l'expansion, il faut constituer un corpus de données à même les issues de patients individuels, dans les centres de traitement de l'hémophilie, à l'échelle nationale, régionale et mondiale. Cela permettra non seulement d'améliorer les pratiques cliniques et de soutenir la distribution de ressources rares, mais aussi, et plus encore, d'améliorer le bien-être général des patients.

Pour ce faire, la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) recommande de compiler des registres nationaux des patients grâce à la collaboration entre les organisations nationales de patients, les professionnels de la santé, les centres de traitement et les ministères de la santé. Les registres sont avantageux pour les patients et leur qualité de vie, pour les médecins et infirmières parce qu'ils leur permettent de suivre l'évolution des besoins en matière de soins, et pour les autorités responsables de la santé publique, afin d'optimiser la gestion des besoins et des ressources. Tous les pays, développés ou en développement, ont une quantité fixe de ressources à consacrer aux soins de santé. La distribution se fait généralement en fonction de ce qu'ils pensent être la priorité la plus urgente et la plus grande valeur ajoutée.

Un registre bien conçu permet de suivre les issues du traitement, y compris les complications, et se prête à une analyse indispensable de l'utilisation des ressources, en plus d'informer la planification des soins de santé. Ces aspects sont importants pour deux raisons. D'abord, les issues favorables (par exemple une baisse du nombre de journées d'hospitalisation, d'absences à l'école ou de jours de travail perdus) justifient le soutien et l'enthousiasme des patients. Deuxièmement, les succès prouvent aux



autorités responsables de la santé l'utilité du programme de soins ou des interventions thérapeutiques.

D'autres exemples de données sur les issues comprennent le nombre d'infections causées par des virus véhiculés par le sang (VIH, VHC, etc.), le nombre de patients atteints de maladie articulaire ou la gravité de celle-ci chez les patients, le nombre de patients qui ont des inhibiteurs, les dérangements hépatiques, les hospitalisations et les décès. Cette information est essentielle pour cerner les besoins changeants des hommes et des femmes atteintes de troubles hémorragiques, reconnaître des problèmes particuliers qui doivent être abordés, ou évaluer et documenter l'effet que les changements touchant la prestation des soins de santé a eu sur la population.

En tant que patients, nous avons un rôle extrêmement important à jouer. Notre participation à la recherche clinique, à la fois pour l'élaboration de nouvelles thérapies et l'optimisation des normes thérapeutiques, est essentielle. Sans elle, nous ne réaliserons pas notre espoir et notre vision du traitement pour tous. Si nous ne participons pas à la recherche clinique, si nous n'appliquons pas le cadre nécessaire pour capturer et analyser les données, le traitement pour tous ne se concrétisera pas. Dans les années à venir, la FMH est fermement décidée à élaborer une initiative mondiale pour éduquer les patients et aider les cliniciens à améliorer la capacité de recherche à l'échelle mondiale, pour relever ces défis. ■

L'ère de l'évaluation

Dre. Alison Street

VICE-PRÉSIDENTE MÉDICALE DE LA FMH

Tandis que mon mandat de vice-présidente médicale de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) tire à sa fin, ça me fait chaud au cœur de voir tous les progrès que notre communauté a faits ces dernières années. Nous vivons une époque palpitante en ce qui concerne la recherche et le traitement de l'hémophilie.

Lors des réunions scientifiques annuelles de 2011 de la Société internationale sur la thrombose et l'hémostase (SITH) et de l'American Society of Hematology, d'éminents cliniciens-chercheurs spécialisés en transferts géniques pour soigner l'hémophilie ont été invités à discuter de leur travail pendant les séances plénières.

Les sujets des présentations plénières sont choisis au terme d'un examen par les pairs, en reconnaissance de la science exceptionnelle dont ils font état, et aussi de l'importance de leur application clinique. Nous félicitons et remercions toutes les personnes qui ont pris part à ces présentations.

Les personnes atteintes de troubles hémorragiques attendent avec impatience que beaucoup de nouveaux traitements dérivés des thérapies de remplacement de facteur de coagulation et des transferts géniques, qui font l'objet d'essais cliniques en ce moment, soient homologués au cours des prochaines années. Pour arriver à l'étape de l'homologation, il faut que la confiance et la collaboration règnent entre les chercheurs, les cliniciens, et surtout les patients, car sans les patients, il devient impossible de mettre à l'essai des nouveaux produits. Les traitements de l'hémophilie doivent être essayés sur des sujets humains, comme des personnes atteintes d'hémophilie, parce que les études portant sur des tissus ou d'autres espèces animales ne suffisent pas à prévoir l'innocuité et l'efficacité des médicaments chez l'être humain. Pour en savoir plus sur les derniers développements touchant les transferts géniques, voir la page 8.

Au Congrès mondial 2012 de la FMH en juillet, nous discuterons du rôle des patients qui s'offrent pour les essais cliniques et nous leur rendrons hommage. Nous collaborerons aussi avec la SITH pour fournir encadrement et formation aux cliniciens et les encourager à diversifier la gamme de leurs recherches cliniques, en plus de procéder à

l'évaluation des produits et à l'analyse des issues cliniques.

L'ère de l'évaluation point pour notre communauté. Il s'agit d'évaluer l'état physique et le bien-être social de la personne qui a un trouble de coagulation, d'évaluer l'étendue et la qualité des soins qu'elle reçoit, de l'avis du patient et des cliniciens qui le soignent, et d'évaluer la valeur rapportée par l'argent investi dans le traitement. Pour effectuer des évaluations solides, nous avons besoin de systèmes fiables pour recueillir des données, et prévoir des ressources humaines et techniques suffisantes pour capter des données probantes et reproductibles. Les données devraient pouvoir être analysées en séries temporelles, longitudinales et en comparaison, pour la latitude, avec des études attestées menées ailleurs.

Par exemple, nous pouvons mesurer chez un patient, au fil de nombreuses consultations cliniques, le nombre de saignements cliniquement manifestes par rapport au produit utilisé, la fonction articulaire et l'apparence sur des études d'imagerie, les absences de l'école ou du travail, et des mesures d'auto-évaluation de la qualité de la vie, y compris la participation sociale. Idéalement, ces paramètres doivent être consignés à chaque visite. Il est aussi important de consigner et d'analyser les mesures qui sont contrôlées moins fréquemment, comme les profils pharmacocinétiques en réponse aux perfusions de facteur car, en plus de fournir des informations sur les médicaments, elles permettent de formuler des recommandations posologiques individualisées.

En compilant des ensembles de données sur chaque patient, il devient possible d'établir des comparaisons entre cliniques et, plus largement, entre centres, entre régions d'un même pays et entre pays. Le rapport annuel de l'Enquête mondiale de la FMH consiste par exemple en une analyse de haut niveau du nombre de personnes atteintes de troubles hémorragiques et de la disponibilité du traitement. Toutefois, le nombre d'éléments de données est restreint, et l'amélioration de la collecte des données au niveau des centres et des pays augmentera la qualité et la pertinence de notre analyse.

Le traitement de l'hémophilie, du fait qu'il est complexe et coûteux, fait de cette maladie une cible d'étude naturelle aux yeux des bailleurs de fonds. Il est très important



que, quand un examen officiel de l'efficacité clinique ou une évaluation des technologies de la santé (comme celle récemment publiée par la Suède¹) est prévue, la communauté locale des patients hémophiles et de professionnels de la santé participent depuis le début. Il s'agit de s'assurer d'une collaboration maximale et d'une transparence du processus, et que les données recueillies sont correctement interprétées par ceux qui les recueillent et les dépouillent. Plus les données disponibles sont pertinentes, plus la qualité de l'évaluation augmente. Cet examen devient alors le justificatif pour améliorer et maintenir les soins.

C'est la dernière fois que je m'adresse à vous dans *Le monde de l'hémophilie*, en tant que vice-présidente médicale. Le monde a énormément changé depuis l'époque où j'ai d'abord été cooptée puis élue au conseil de la FMH, il y a près de 10 ans. Le plaidoyer pour la reconnaissance et le traitement des patients atteints de troubles de coagulation est de plus en plus fort et efficace dans de nombreuses parties du monde. Pour poursuivre ces gains, compte tenu des nombreuses crises plus vastes qui perturbent les systèmes financiers mondiaux, notre communauté a l'obligation fondamentale d'affirmer l'importance de la collecte des données et la recherche sur les issues cliniques et d'en informer les patients et les cliniciens du monde entier. L'incitation à la recherche crée un climat stimulant qui nous profite à tous et qui amène un flot d'idées nouvelles et excitantes. ■

1 <http://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/j.1365-2516.2011.02723.x/abstract>

Un essai de thérapie génique donne des résultats prometteurs

Mark Brooker

PRINCIPAL CHARGÉ DES POLITIQUES
D'INTÉRÊT PUBLIC DE LA FMH

Des scientifiques ont réalisé une percée remarquable dans la recherche sur les transferts géniques appliqués au traitement de l'hémophilie. Une équipe de chercheurs basée à Londres, opérant sous la direction des Drs A Amit Nathwani et Edward Tuddenham, a publié des preuves incontestables du succès de cette technique pour soigner l'hémophilie B.¹ Un premier résumé de ce projet, qui faisait d'ailleurs allusion à son succès possible, a été présenté lors du Congrès mondial 2010 de la FMH.

En tout, six patients atteints d'hémophilie B grave ont reçu par perfusion un vecteur viral adéno-associé (VAA) porteur du gène de facteur IX normal. Tous les patients ont vu leur niveau mesurable de facteur de coagulation augmenter après le traitement, de sorte qu'ils ont pu espacer, sinon éliminer, le recours au concentré de facteur de coagulation. Le patient qui a reçu la plus forte dose de vecteur a exprimé des niveaux de facteur variant de 8 à 12 % pendant plus de six mois. L'étude se poursuit.

La possibilité de soigner l'hémophilie par transfert génique est établie depuis des années, lorsqu'elle a été démontrée par des essais à long terme sur des animaux, dont des souris et des chiens. Chez les chiens hémophiles, des niveaux thérapeutiques de facteur ont été obtenus pendant plus de huit ans après l'administration d'une seule dose du vecteur porteur du gène. La difficulté a été d'obtenir des résultats comparables chez des sujets humains.

La technique utilisée pour cet essai était simple : le gène codant pour le facteur IX a été administré par accès veineux périphérique dans un support minuscule, appelé vecteur. Les vecteurs sont des petits virus qui infectent les humains et quelques autres espèces de primates, mais sans provoquer de maladie. Différents types de VVA infec-

La possibilité de soigner l'hémophilie par transfert génique est établie depuis des années, lorsqu'elle a été démontrée par des essais à long terme sur des animaux, dont des souris et des chiens. La difficulté a été d'obtenir des résultats comparables chez des sujets humains.

tent plus spécifiquement certains tissus humains, comme le foie. En principe, le VVA codant pour le facteur IX intérieur est injecté dans la veine d'un patient et se déplace vers le foie, où il livre le gène de facteur IX normal dans les cellules hépatiques. Celles-ci commencent alors à produire du facteur IX, et les niveaux de facteur du patient augmentent.

Les tentatives précédentes utilisant des vecteurs VVA pour traiter des sujets humains atteints d'hémophilie B avaient réussi, dans une certaine mesure, à augmenter les niveaux de facteur. Lors de ces premiers essais, les chercheurs avaient utilisé des particules virales VVA2 en très grand nombre pour surmonter l'inefficacité à pénétrer les cellules du foie. Cependant, la réponse suscitée a été de courte durée (quatre à six semaines) et la production de facteur dans le foie s'est arrêtée lorsque le système immunitaire humain a détruit les cellules hépatiques qui contenaient le virus. En outre, comme la plupart des humains ont déjà été exposés à cette forme du virus et ont donc des anticorps, ils ne peuvent être traités efficacement avec ce vecteur.

L'aspect fascinant de l'essai le plus récent, c'est qu'il a fait appel à un vecteur VVA8 remanié qui pénètre mieux les cellules hépatiques, ce qui signifie que les doses administrées sont plus faibles et ne suscitent pas la réponse immunitaire importante

notée lors des essais précédents. En outre, sachant que la réponse immunitaire au vecteur pourrait être problématique, les sujets de cet essai ont été étroitement suivis. Lorsque deux d'entre eux ont manifesté des signes indiquant que leur corps attaquait le vecteur, on leur a administré des stéroïdes pendant une courte période pour neutraliser la réponse immunitaire, et leurs niveaux de facteur sont restés élevés.

La thérapie génique pour l'hémophilie B va progresser selon un processus très semblable à celui suivi pour mettre au point et approuver un nouveau concentré de facteur de coagulation. Les six patients de l'essai continueront d'être suivis. Un autre essai clinique, relevant de la supervision des autorités réglementaires aux États-Unis et en Europe, sera mené pour établir l'innocuité et l'efficacité du traitement et déterminer la dose optimale. Si cet essai est concluant, les organismes de réglementation approuveront l'utilisation chez les patients.

Le succès obtenu pour traiter l'hémophilie B suggère que la même technique pourrait être utilisée pour soigner l'hémophilie A. Cependant, le gène de facteur VIII est beaucoup plus grand que le gène de facteur IX, et il reste à voir si le vecteur utilisé pour l'hémophilie B pourrait porter le gène de facteur VIII. Il se peut qu'il faille utiliser un vecteur différent et plus grand pour porter efficacement le gène de facteur VIII. En outre, la réponse immunitaire au facteur VIII (développement d'inhibiteurs de facteur VIII) constitue aussi un défi dans les essais de transferts géniques de facteur VIII.

Les patients qui ont participé à cet essai, et ceux qui sont venus avant eux, ont contribué de façon inestimable à la recherche d'un traitement de l'hémophilie. La FMH s'est vite ralliée à la thérapie génique, incluant cet essai. « Nous appuyons les cliniciens et les chercheurs qui travaillent sur le terrain pour atteindre cet objectif », a déclaré Mark Skinner, président de la FMH. « Nous apprécions profondément les chercheurs qui ont ouvert la voie avec ces études, de même que les patients qui ont participé aux essais cliniques. » ■

¹ Nathwani AC, Tuddenham EGD, Rangarajan S, et al.

« Adenovirus-associated virus vector-mediated gene transfer in hemophilia B », *N Engl J Med*, 2011. DOI: 10.1056/NEJMoa1108046

Resserrer et tisser des liens en Afrique du Sud

Tony Roberts

FONDATION SUD-AFRICAINNE DE
L'HÉMOFILIE

Tandis que selon les estimations, seulement 30 % des hommes et des femmes qui souffrent de troubles de coagulation sont diagnostiqués à l'heure actuelle dans le monde, la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) travaille avec des pays comme l'Afrique du Sud pour élargir le diagnostic et le traitement des personnes atteintes de troubles hémorragiques. Grâce au programme de l'Alliance mondiale pour le progrès (AMP), l'Afrique du Sud travaillera avec la FMH pour relever le niveau des soins des troubles de coagulation à l'échelle de son territoire.

Pour améliorer les soins, il faut d'abord identifier les personnes atteintes de troubles hémorragiques qui vivent dans les régions les plus reculées de ce beau pays. Bradley Rayner, président de la Fondation sud-africaine de l'hémophilie (SAHF), caresse un rêve quant à l'amélioration du diagnostic - « trouver nos frères et sœurs égarés. Nous savons qu'ils existent. » Il propose de créer un groupe de travail national, avec l'aide de généticiens, pour inciter les parties en cause à s'attaquer en priorité à cette tâche.

Les projets de l'AMP en Afrique du Sud prévoient la formation d'un comité national de l'hémophilie, incluant le ministère national de la Santé, pour affirmer la vision du gouvernement sud-africain de

l'accès égal pour tous, y compris l'accès aux soins de santé. En outre, la SAHF cherche à étendre les soins dans les communautés rurales en fournissant aux infirmières des ordinateurs miniportables et des modems. On prévoit aussi la création d'un portail de ressources Web pour la SAHF qui servira à partager des informations et à diffuser des rapports. D'autres projets comprennent l'amélioration et l'élargissement de la liste d'adresses et du registre de patients, le rayonnement et le développement dans les zones moins desservies, le renforcement des aptitudes psychosociales, la formation en physiothérapie et en soins infirmiers, et la sensibilisation accrue aux personnes atteintes de troubles de coagulation.

Selon Rayner, « on a espoir que l'AMP suscitera de l'enthousiasme et de la concentration et dynamisera le travail déjà entrepris pour instaurer un régime de soins hémophiliques amélioré et consolidé en Afrique du Sud ».

Anne-Louise Cruickshank, coordonnatrice des soins infirmiers de la province de Cap-Occidental et secrétaire du conseil consultatif médical et scientifique (MASAC) de la SAHF, pense que le programme de l'AMP en Afrique du Sud sera favorable à la mise en place de soins hémophiliques complets dans l'ensemble du pays. Elle espère également qu'il se traduira par un diagnostic accru, qu'il réduira le nombre de décès prématurés, qu'il apportera des soins pour les porteurs et les familles des



Abdul Barends avec ses deux fils, qui souffrent d'hémophilie A grave, et sa fille.

personnes atteintes de troubles de coagulation, qu'il augmentera l'expertise disponible dans les régions rurales et qu'il permettra de planifier la relève.

Le Dr Johan Potgieter, pathologiste et président du MASAC, ne se fait pas d'illusion sur l'ampleur de la tâche à accomplir lorsqu'il déclare : « encore une fois, nous nous trouvons à un moment décisif. Il ne fait pas de doute pour moi que la participation au programme de l'AMP n'est rien de moins qu'une tâche herculéenne. Notre plus grand défi consiste peut-être à combler l'écart entre la quantité de produit de remplacement dont nous avons besoin et celle qui est disponible. Pour y arriver, nous avons besoin de l'appui engagé et soutenu du gouvernement pour augmenter les ressources. Sans lui, il se peut que nous soyons incapables de réduire fortement les taux de mortalité et de morbidité parmi les personnes atteintes d'hémophilie, à titre d'organisation de soins capable d'une intervention sentie. Il est clair que la SAHF gagnera en force grâce au programme de l'AMP. »

Au bout du compte, la SAHF espère que le programme de l'AMP améliorera la qualité de vie de toutes les personnes touchées de près et de loin par l'hémophilie et les troubles de coagulation connexes en Afrique du Sud, et surtout les jeunes, qui forment le groupe le plus vulnérable. ■

La FMH remercie Baxter, commanditaire fondateur du programme de l'AMP; la fondation familiale André de la Porte, Bayer, et CSL Behring, ses commanditaires réguliers; Biogen Idec Hemophilia, Biotest, Grifols, et Pfizer, commanditaires complémentaires; la Société de l'hémophilie de l'Irlande, commanditaire financier; et l'Organisation mondiale de la Santé, partenaire collaborateur.



Des jeunes hémophiles participent à un camp.



QUE FAUDRA-T-IL POUR COMBLER L'ÉCART?

Journée mondiale de l'hémophilie 2012
17 avril

On estime qu'une femme et un homme sur mille souffrent d'un trouble hémorragique. Or, 75 % d'entre eux sont privés de traitement ou de traitement adéquat.

Ensemble, nous pouvons travailler pour faire en sorte qu'un jour, le traitement soit accessible partout dans le monde.



Aidez-nous à combler l'écart
www.wfh.org/whd/fr



FMH 50
ANS CONSACRÉS À AMÉLIORER
LE TRAITEMENT POUR TOUS

FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
World Federation of Hemophilia
Federación Mundial de Hemofilia

LE 17 AVRIL, JOURNÉE MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE 2012

Comblers l'écart

Sarah Ford

RESPONSABLE DES COMMUNICATIONS
DE LA FMH

On estime qu'une personne sur 1 000, hommes et femmes confondus, souffre d'un trouble de coagulation. Or 75 % d'entre elles reçoivent des traitements inadéquats ou ne sont pas soignées du tout. Que faudra-t-il pour combler l'écart ?

À l'occasion de la Journée mondiale de l'hémophilie 2012, aidez-nous à passer le mot pour « Comblers l'écart » thérapeutique à l'échelle mondiale. Ensemble, nous pouvons travailler pour faire en sorte qu'un jour, le traitement soit accessible à tous, partout dans le monde.

La réalité de la situation, c'est que la plupart des personnes atteintes d'hémophilie ou d'autres troubles de coagulation sont privées du diagnostic, du traitement et de la prise en charge thérapeutique dont elles ont besoin. Ces éléments sont aussi importants là où il existe de bons traitements qui doivent être protégés qu'aux endroits où le traitement doit être amélioré.

La Journée mondiale de l'hémophilie a été tenue pour la première fois en 1989 et elle est aujourd'hui devenue une manifestation véritablement mondiale. Chaque année, des organisations de l'hémophilie et des centres de traitement y participent partout dans le monde pour mieux faire connaître l'hémophilie et les troubles de coagulation.

Branchez-vous à vos communautés en ligne et faites rayonner le message sur le besoin de renforcer et d'améliorer les soins. La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) affichera des messages dans Facebook et Twitter chaque semaine précédant la Journée mondiale de l'hémophilie.

Nous vous encourageons à visiter la page Facebook de la FMH, www.facebook.com/wfhemophilia, pour voir comment les organisations du monde entier fêtent la Journée mondiale de l'hémophilie cette année.

Beaucoup de gens porteront du rouge pour sensibiliser le public à la Journée mondiale de l'hémophilie. La FMH réunira aussi des photos de vous, votre famille et vos amis portant du rouge. Publiez vos photos dans la page Facebook de la Journée mondiale de l'hémophilie ou envoyez-les à sford@wfh.org. La FMH choisira ensuite des photos pour créer une affiche qui sera présentée au Congrès mondial 2012 de la FMH.

Le 17 avril prochain, joignez-vous à la communauté mondiale des troubles de coagulation pour célébrer la Journée mondiale de l'hémophilie. Ensemble, nous comblerons l'écart. ■

La FMH remercie Bayer, Biogen, CSL Behring et Novo Nordisk d'appuyer la Journée mondiale de l'hémophilie.

La FMH aimerait savoir comment vous et votre organisation ou centre de traitement avez célébré la Journée mondiale de l'hémophilie. Nous vous remercions d'envoyer un court résumé de vos activités ainsi quelques photos à haute résolution à sford@wfh.org d'ici le 18 mai.



Offrez une adhésion pour la Journée mondiale de l'hémophilie : visitez www.wfh.org.



La quête vers l'or

Le cheminement d'un athlète d'élite peut parfois être intense. Alex Dowsett, cycliste professionnel membre de l'équipe de Sky Britain, a connu un grand succès qui se poursuit en 2012.

Dowsett, qui souffre d'hémophilie A grave, est le témoignage concret des progrès survenus au plan du traitement et des soins, qui aujourd'hui sont tels qu'une personne atteinte d'hémophilie peut envisager une carrière comme athlète d'élite. La Fédération mondiale de l'hémophilie souhaite à Dowsett tout le succès possible pour sa saison de course 2012. Suivez sa quête vers l'or au site www.trainingscapes.com/alex-dowsett.

NOUVELLES MONDIALES

Activités de la FMH dans les régions



GAUCHE: Colloque sur l'hémophilie à Santa Cruz, en Bolivie. DROITE: Examen d'un patient par Natasia Jankovic, physiothérapeute, et le Dr Luigi Solimeno, orthopédiste, lors de l'atelier de santé musculo-squelettique à Belgrade, en Serbie.

AFRIQUE ET MEDITERRANÉE OCCIDENTALE

Jordanie

Le ministère jordanien de la Santé a approuvé que le principe du traitement à domicile soit mis en œuvre dans tous les hôpitaux ministériels à compter d'octobre. Cette décision signifie que les patients recevront une ou deux doses pour commencer le traitement dès qu'un saignement se déclenche, sans avoir à attendre d'arriver à un centre de traitement. Cela aura un impact positif sur l'issue du traitement. Le ministre de la Santé a remercié la Fédération mondiale de l'hémophilie d'appuyer de façon soutenue la cause de l'hémophilie dans le pays et a exprimé la volonté du ministère de maintenir une coopération étroite avec la FMH dans l'avenir.

Koweït

En collaboration avec la FMH, le Comité de l'hémophilie du Koweït a organisé une activité de deux jours en novembre. Un colloque scientifique qui a attiré des professionnels de la santé des principaux centres de traitement du Koweït s'est tenu la première

journee tandis que la seconde a été consacrée à une séance d'information pour les patients et les familles qui a abordé la thérapie à domicile et l'auto-perfusion. L'événement a fait l'objet d'une vaste couverture médiatique.

Liban

En octobre, l'Association libanaise de l'hémophilie (ALH) et la FMH ont organisé à Beyrouth deux séances sur l'hémophilie et les troubles de coagulation connexes à l'occasion de la réunion annuelle de la Société libanaise d'hématologie. Les délégués de la FMH et de l'ALH ont rencontré le ministre de la Santé et discuté du rôle futur du ministère et de l'appui des soins hémophiliques dans le pays, en particulier en ce qui concerne l'approvisionnement en produits de traitement. Il a été convenu que l'ALH soumettra au ministère de la Santé une proposition sur une éventuelle collaboration à cet égard.

Maroc

Avec la collaboration du ministre national de la Santé, l'Association marocaine de l'hémophilie et la FMH ont organisé à Casablanca, en octobre, une réunion régionale pour le Moyen-Orient. Quarante

professionnels de la santé et personnes atteintes d'hémophilie y ont assisté. La Syrie, le Liban, la Jordanie, le Koweït, le Bahreïn, le Qatar, Oman, les Émirats arabes unis, l'Arabie saoudite, l'Égypte, le Soudan, la Tunisie, l'Algérie, le Maroc, la Mauritanie, le Sénégal, et la Turquie étaient représentés. Plusieurs sujets se rapportant aux défis auxquels sont confrontées les communautés hémophiles ont été abordés pendant la rencontre.

AMÉRIQUES

Bolivie

Un colloque de deux jours sur l'hémophilie s'est déroulé à Santa Cruz en novembre. Il a réuni des patients, des familles et des professionnels médicaux de différentes régions du pays. Les principaux objectifs étaient de créer une occasion d'apprentissage et d'échange pour les professionnels de la santé, les étudiants en médecine, les familles et les patients et de fournir de l'information sur les soins complets. C'était la première fois que la Fédération bolivienne de l'hémophilie (*Federación Boliviana de Hemofilia*) organisait ce type de rencontre.

Son succès, avec plus de 100 participants, était manifeste. Des représentants du ministère de la Santé étaient aussi présents et ont aidé à inaugurer la rencontre.

Brésil

Le ministère de la Santé préconise la prophylaxie primaire et l'induction de la tolérance immunitaire chez les patients et s'emploie à appuyer la mise en œuvre de ce nouveau régime dans les centres de traitement de l'hémophilie. La Fédération brésilienne de l'hémophilie (*Federação Brasileira de Hemofilia*) a travaillé avec ardeur et fait pression sur le ministère de la Santé pour que l'on commence à offrir aux patients cette forme de traitement, notamment en faisant valoir ses avantages à court et à long terme au plan de la qualité de vie.

Venezuela

L'Association de l'hémophilie du Venezuela (*Asociación Venezolana para La Hemofilia*), après avoir organisé 30 camps pour enfants, jeunes et adultes, a décidé d'organiser un autre spécialement pour les infirmières. Le temps d'une fin de semaine, 18 infirmières de 10 régions ont assisté à des séances sur le rôle de l'in-

firmière au sein de l'équipe multidisciplinaire, l'administration du facteur et la façon de soigner les patients selon le type de saignement. Il s'agissait d'un projet pilote, et après tous les commentaires positifs, il a été décidé de renouveler l'expérience chaque année.

ASIE ET PACIFIQUE OUEST

Australie et Nouvelle-Zélande

Vingt-cinq personnes se sont réunies au mois d'octobre pour le tout premier atelier conjoint Australie-Nouvelle-Zélande. Tenue à Sydney, la rencontre a porté tout particulièrement sur les défis auxquels sont confrontées les familles et sur les inhibiteurs. Des parents d'enfants avec des inhibiteurs ainsi que des hommes de tous âges ayant des inhibiteurs, accompagnés de leur conjoint ou aide personnelle, y ont assisté. L'idée d'organiser cet atelier est issue d'une consultation auprès des infirmières en soins hémophiliques de la région. Il a été le résultat d'un effort concerté de la Fondation de l'hémophilie de l'Australie et de la Fondation de l'hémophilie de la Nouvelle-Zélande.

Chine

Dans la ville de Yangzhou, en septembre, le groupe des infirmières a tenu un colloque national d'une journée sur les soins infirmiers qui a attiré plus d'une centaine d'infirmières et de professionnels de la santé, y compris des infirmières de

28 provinces. Une séance simultanée sur les soins à domicile s'est déroulée l'après-midi pour plus de 70 patients et familles. Hemophilia Home of China (HHC), en collaboration avec la One Foundation, a lancé un projet de trois ans qui vise à fournir une aide dans tout le pays aux enfants à faible revenu dans les zones rurales. HHC a aussi signé un accord avec la Children's Hope Foundation China en vue de créer un autre fonds pour aider les enfants atteints d'hémophilie.

Inde

En octobre, des délégués de la FMH ont effectué une visite de reconnaissance pour se faire une idée de la situation en Inde et des difficultés et dossiers auxquels se butent la Fédération de l'hémophilie de l'Inde (FHI) et ses 70 sections locales. Les activités comprenaient des réunions avec les patients, les familles et les bénévoles dans les sections locales de Mumbai, Chennai et Delhi. Il y a aussi eu une visite au centre de traitement de Delhi et aux centres internationaux de formation en hémophilie de la FMH à Mumbai et à Vellore. Des tables rondes régionales avec des représentants des sections locales de la FHI ont aussi eu lieu, de même que des réunions avec des responsables gouvernementaux et des discussions officielles avec la FHI concernant la collaboration future.

Mongolie

Un atelier clinique abordant une gamme de sujets liés aux soins complets s'est tenu pendant



Participants à un atelier clinique tenu à Oulan-Bator, en Mongolie.

deux jours à Oulan-Bator en septembre. Il a été suivi par un atelier d'une journée avec l'Association mongole de l'hémophilie, où patients et familles ont bénéficié d'une formation de base sur la maladie, le soin des articulations, les thérapies de remplacement, les inhibiteurs et la gestion de la maladie. En octobre, un atelier a été organisé pour les médecins de famille d'Oulan-Bator et un autre, pour les médecins de huit provinces.

EUROPE

Balkans

Pas loin de 50 orthopédistes, physiatres, hématologues et physiothérapeutes ont assisté à un atelier régional sur la santé musculo-squelettique d'une journée et demie qui a eu lieu à Belgrade, en Serbie. Les sujets abordés ont varié du renvoi des patients par l'équipe de soins complets à l'arthropathie, la synovite, la physiothérapie et la prévention orthopédique. Les participants sont venus de Serbie, de Macédoine, de Bosnie-Herzégovine et du Monténégro.

Caucase

Un atelier régional sur la santé dentaire de deux jours et demi

a été organisé à Tbilissi, en Géorgie, pour 26 participants venus de la Géorgie, de l'Arménie et de l'Azerbaïdjan. Dentistes, hématologues et dirigeants de groupes de patients ont bénéficié d'information sur la prévention, l'hygiène et les interventions dentaires. Des plans sont en cours pour renforcer les soins dentaires dans les services de soins complets des centres de traitement de l'hémophilie de Bakou, d'Erevan et de Tbilissi.

Moldavie

Une formation pour les membres de conseil de direction a eu lieu à pour 20 participants de toutes les régions du pays. L'atelier a été donné par des délégués de la FMH et un représentant de la Société polonaise de l'hémophilie, laquelle est jumelée avec la Société de la Moldavie. Il a été question de lobbying, de relations avec les médias, de gouvernance et de planification de la relève. Cette activité a été suivie par une visite à Varsovie par trois dirigeants de groupes de patients moldaves, pour qu'ils assistent aux élections et à l'assemblée générale de la Société polonaise. ■



Rencontre avec le ministre jordanien de la Santé.

Les dons mondiaux provenant de nos organisations nationales membres sont à la hausse

Eric Stolte

PRÉSIDENT DU COMITÉ DE LEVÉE DE FONDS
ET DE DÉVELOPPEMENT DES RESSOURCES
DE LA FMH

Comme n'importe quelle communauté, notre force vient de nos membres et du travail indispensable que nous accomplissons ensemble pour améliorer le traitement et les soins que reçoivent les personnes atteintes de troubles de coagulation partout dans le monde. Tandis que nous nous préparons à célébrer notre 50^e anniversaire, nous ressentons une reconnaissance spéciale envers les organisations nationales membres (ONM) de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) qui ont repoussé la portée nationale de leur travail remarquable, et nous tenons à souligner leurs contributions extraordinaires à la mission globale de la FMH.

Depuis plusieurs années, un petit groupe grandissant d'ONM a commencé à faire des contributions financières versées à la FMH un engagement fondamental de leur organisation. Leurs efforts sont reconnus dans *Le monde de l'hémophilie* et dans les rapports annuels de la FMH. Plus récemment, en 2011, la National Hemophilia Foundation (NHF) des États-Unis a fait preuve d'un leadership exceptionnel en égalant les contributions de l'ensemble de ses sections locales. Ce geste encourage une culture axée la philanthropie, la solidarité et le rayonnement dans toute la communauté américaine des troubles de coagulation. En tout, les dons reçus des sections locales et de la NHF ont frisé 40 000 dollars US en 2011. C'est un leadership qui s'exprime haut et fort.

C'est avec une grande fierté que nous accueillons l'Association de l'hémophilie du Venezuela (*Asociación Venezolana para la Hemofilia*) au sein de notre cercle de donateurs internationaux. *Muchas gracias y bienvenidos.*

Dans un geste sans précédent, la Société égyptienne de l'hémophilie (ESH) a remis en don à la FMH sa part des revenus du 20^e Congrès sur la santé musculo-squelettique. Ce geste généreux a multiplié par plus de six le don annuel coutumier de l'ESH.

Aucune contribution n'est trop modeste. Nous avons eu l'honneur, une deuxième année de suite, de recevoir un don de la section d'Angamaly de la Société de l'hémophilie de l'Inde.



Leur générosité sans faille est un témoignage de la puissance et de la joie que suscite la participation tandis que nous poursuivons notre mission de parvenir au Traitement pour tous.

Voici d'autres exemples des gestes que posent des ONM qui ont choisi de s'associer avec nous dans la philanthropie : la Société canadienne de l'hémophilie verse chaque année 2 % de ses revenus non affectés; la Société égyptienne de l'hémophilie a souscrit un engagement pluriannuel; la Fondation de l'hémophilie de la Nouvelle-Zélande a promis une partie des cotisations annuelles qu'elle perçoit; la Société irlandaise de l'hémophilie appuie le programme de l'Alliance mondiale pour le progrès par une contribution annuelle depuis 2007.

À l'approche de notre 50^e anniversaire et tandis que nous lançons la première campagne de financement pluriannuelle de la FMH, nous invitons toutes les ONM à se laisser inspirer par ces exemples et à s'engager avec la FMH et leurs homologues dans la voie de la philanthropie. Ensemble, comblons l'écart entre ceux qui ont accès aux soins et ceux pour qui les soins restent hors de portée. ■

En 2011, les ONM et leurs sections locales ont conjointement versé plus de 75 000 dollars US pour contribuer à combler l'écart thérapeutique, soit une hausse de 30 % par rapport à 2010. MERCI à :

L'Asociación Venezolana para la Hemofilia

La Société canadienne de l'hémophilie

La Société égyptienne de l'hémophilie

La Fondation de l'hémophilie de la Nouvelle-Zélande

La Société irlandaise de l'hémophilie

La National Hemophilia Foundation (É.-U.)

SECTIONS LOCALES

Inde :

Section d'Angamaly de la Société de l'hémophilie de l'Inde

ÉTATS-UNIS :

Bleeding Disorder Foundation of Washington

Delaware Valley Chapter of the National Hemophilia Foundation

Hemophilia Foundation of Greater Florida

Hemophilia Foundation of Michigan

Hemophilia of Georgia

Hemophilia of North Carolina

Virginia Hemophilia Foundation

Les ONM et leurs sections locales qui contribuent à la campagne Comblons l'écart organisée pour le 50^e anniversaire de la FMH se verront mériter une reconnaissance spéciale.

Calendrier 2012



Journée mondiale de l'hémophilie 2012

17 avril 2012

Fédération mondiale de l'hémophilie

Tél. : +1-514-875-7944

Télé. : +1-514-874-8916

Courriel : sford@wfh.org

www.wfh.org/whd

XXXIV^e Congrès mondial de la Société internationale d'hématologie

25 - 28 avril 2012 – Cancun, Mexique
Société internationale d'hématologie (SIH)

Tél. : +52-55-55-24-11-12

Courriel : contacto@amehac.org

www.hematology2012.com/en/inicio.aspx

Journée mondiale du don de sang 14 juin 2012

Organisation mondiale de la Santé

www.who.int/mediacentre/events/annual/world_blood_donor_day/fr/index.html

Thrombosis and Hemostasis Summit of North America (THSNA)

3-5 mai 2012 – Chicago, É.-U.

Tél. : +1-617-638-4605

Tél. : +1-800-688-2475

Courriel : cme@bu.edu

www.thsna.org

19^e Atelier IPFA/PEI sur la surveillance et le dépistage des pathogènes à diffusion hémotogène

23-24 mai 2012 – Budapest, Hongrie

IPFA/PEI

Tél. : +31 20 512 3561

Télé. : +31 20 512 3559

Courriel : ipfa@sanquin.nl

www.ipfa.nl

Forum de la PPTA

21-22 juin 2012 – Washington,

D.C., É.-U.

Plasma Protein Therapeutics

Association (PPTA)

Tél. : +1-202-789-3100

Courriel : ccash@pptaglobal.org

www.pptaglobal.org

58^e réunion annuelle du Comité scientifique et de normalisation de la SITH

27-30 juin 2012 – Liverpool,

Royaume-Uni

Société internationale de thrombose et d'hémostase (SITH)

Tél. : +41 22 33 99 588

Télé. : +41 22 33 99 631

Courriel : ssc2012reg@mci-group.com

www.ssc2012.org

32^e Congrès international de la SITS

7-12 juillet 2012 – Cancun, Mexique

Société internationale de transfusion sanguine (SITS)

Tél. : +31 20 679 3411

Télé. : +31 20 673 7306

Courriel : mexico@isbtweb.org

www.isbtweb.org/mexico/welcome

Atelier de formation 2012 pour les ONM

5-7 juillet 2012 – Paris, France

Fédération mondiale de l'hémophilie

Tél. : +1-514-875-7944

Télé. : +1-514-874-8916

Courriel : azavagno@wfh.org



Congrès mondial 2012 de la FMH

8-12 juillet 2012 – Paris, France

Fédération mondiale de l'hémophilie

Tél. : +1-514-875-7944

Télé. : +1-514-874-8916

Courriel : info2012@wfh.org

www.wfhcongress2012.org

Journée mondiale contre l'hépatite

28 juillet 2012

Alliance mondiale pour l'hépatite

www.worldhepatitisalliance.org

ATHN Data Summit 2012

20-21 septembre 2012 – Chicago, É.-U.

The American Thrombosis and

Hemostasis Network (ATHN)

Tél. : +1-800-360-2846

Télé. : +1-847-572-0967

Courriel : info@athn.org

Congrès 2012 du CEH

26-28 octobre 2012 – Prague,

République tchèque

Consortium européen de l'hémophilie

www.ehc.eu

HAA-APSTH 2012

29-31 octobre 2012 – Melbourne,

Australie

Haematology Society of Australia (HAA)

Tél. : +61 8 8363 1307

Télé. : +61 8 8363 1604

Courriel : haa@fcconventions.com.au

www.fcconventions.com.au/HAA2012

64^e Assemblée annuelle de la NHF

8-10 novembre 2012 – Orlando, É.-U.

National Hemophilia Foundation

www.hemophilia.org

Journée mondiale du sida

1^{er} décembre 2012

Fonds national d'affectation

pour le sida

www.worldaidsday.org

Assemblée annuelle de l'ASH

8-11 décembre 2012 – Atlanta, É.-U.

American Society of Hematology

Tél. : +202-776-0544

Télé. : +202-776-0545

www.hematology.org

Remerciements

Nous remercions les organisations qui se sont engagées à réaliser la mission de la FMH, ou y ont contribué, depuis le début de 2012.

MÉCÈNE

Jan Willem André de la Porte

CONTRIBUTIONS ANNUELLES SANS RESTRICTIONS

Baxter
Bayer
Biogen Idec Hemophilia
Biotest
BPL
CSL Behring
Green Cross
Grifols
Inspiration
Biopharmaceuticals
Kedrion
LFB
Octapharma
Novo Nordisk
Pfizer
Sanquin

ALLIANCE MONDIALE POUR LE PROGRÈS (AMP)

Commanditaire fondateur
Baxter

Commanditaires réguliers
André de la Porte Family
Foundation

Bayer
CSL Behring

Patrocinadores de apoyo
Biogen Idec Hemophilia
Biotest
Grifols
Pfizer

Commanditaire associé
Société de l'hémophilie de
l'Irlande *

Partenaire collaborateur
Organisation mondiale de la
Santé

PROGRAMMES COMMANDITÉS

Projet du 50^e anniversaire
Baxter
Bayer
Biogen Idec Hemophilia
Biotest
BPL
CSL Behring
Green Cross
Grifols
Inspiration
Biopharmaceuticals
Kedrion
LFB
Novo Nordisk
Octapharma
Pfizer
Sanquin

Le plaidoyer en action -
programme de formation
pour les ONM
Baxter

Programme de jumelage
Pfizer

Programme de bourses des
centres internationaux de
formation en hémophilie
Bayer

Site Web
Site Web de la FMH : Bayer
Jeux HemoAction en direct :
Novo Nordisk
Répertoire électronique des
centres de traitement de
l'hémophilie : Biogen Idec
Hemophilia

Section sur les inhibiteurs : Grifols,
Novo Nordisk
Manuel de laboratoire en ligne :
Grifols
Section sur la maladie de von
Willebrand : CSL Behring, Grifols,
LFB, Octapharma

Publications

Bulletin électronique du Conseil
consultatif médical : Biogen Idec
Hemophilia

Autres programmes

Prix Inga Marie Nilsson :
Octapharma
Fonds commémoratif Susan Skinner
: The Hemophilia Alliance
Projet d'extension sur la maladie de
von Willebrand : LFB

Journée mondiale de l'hémophilie

Baxter, Bayer, Biogen
Idec Hemophilia, CSL
Behring, Inspiration
Biopharmaceuticals, Novo
Nordisk

ORGANISATIONS

Société canadienne de
l'hémophilie*
Société égyptienne de
l'hémophilie*
Fondation de l'hémophilie de
la Nouvelle-Zélande*
National Hemophilia
Foundation (É.-U.)*

* La FMH est fière de reconnaître
le soutien de ses organisations
nationales membres.

Président
Mark W. Skinner

Comité de rédaction
Antonio Almeida
Marion Berthon-Elber
John E. Bournas
Cheryl D'Ambrosio
Masood Fareed
Sarah Ford
Michelle Grady
Shelley Mattson
Craig T. McEwen
Elizabeth Myles
Dolly Shinhat-Ross
David Silva
Mark Skinner
Alok Srivastava
Eric Stolte
Alison Street

Rédactrice
Sarah Ford

Adjointe à la rédaction
Khalil Guliwala

Collaborateurs
Mark Brooker
Antonietta Colavita
Luisa Durante
Sarah Ford
Michelle Grady
Khalil Guliwala
Assad Haffar
Catherine Hudon
Robert Leung
Craig T. McEwen
Elizabeth Myles
Tony Roberts
Dolly Shinhat-Ross
Mark Skinner
Eric Stolte
Alison Street

Conception graphique
Em Dash Design

Production de la version imprimée
AS Lithographe

Le monde de l'hémophilie est publié
trois fois par année par la Fédération
mondiale de l'hémophilie (FMH).

Les opinions exprimées dans *Le monde de
l'hémophilie* ne sont pas nécessairement
celles de la FMH. Les organisations de
l'hémophilie qui le souhaitent sont autori-
sées à traduire ou à réimprimer tout le con-
tenu de la présente publication, à condition
de citer la FMH comme source.

Esta publicación esta disponible en español.

This publication is available in English.

Le monde de l'hémophilie est disponible en
format pdf à l'adresse en www.wfh.org.

Nos coordonnées
1425, boul. René-Lévesque Ouest
Bureau 1010
Montréal (Québec)
H3G 1T7, Canada
Téléphone : +1 (514) 875-7944
Télécopieur : +1 (514) 875-8916
Courriel : wfh@wfh.org
Site Web : www.wfh.org

LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE VEUT DE VOS NOUVELLES!

Les activités des personnes atteintes d'hémophilie et d'autres troubles
de coagulation rares, et les organisations qui les aident, importent à
l'ensemble du monde des troubles de la coagulation. Nous sollicitons
articles, lettres et suggestions. Veuillez les envoyer à :

La rédaction, *Le monde de l'hémophilie*
Fédération mondiale de l'hémophilie
1425, boul. René-Lévesque Ouest, bureau 1010
Montréal (Québec)
H3G 1T7, Canada
Courriel : sford@wfh.org